

Trumpa informacija apie klinikinį tyrimą “AK580”

Tyrimo pavadinimas	CAPSTONE: III fazės patvirtinamojo įvertinimo protokolas: trijų dalių, dviejų atšakų, atsitiktinės atrankos, atviras rVA576 saugumo ir veiksmingumo įvertinimo tyrimas pacientams, sergantiems paroksizmine naktine hemoglobinurija (PNH)
Tyrimo gali dalyvauti šie pacientai	Pacientai, kuriems yra diagnozuota paroksizminė naktinė hemoglobinurija, sukianti reikšmingą anemiją, kai reikalinga nuolatinės eritrocitų masės transfuzijos
Tyrimo negali dalyvauti šie pacientai	<ul style="list-style-type: none"> ● Pacientai, kurių vidutinė hemoglobino koncentracija per 12 mėnesių iki atrankos buvo didesnė nei 105 g/l. ● Sunkus kaulų čiulpų nepakankamumas. ● Pacientai, kurių PNH susijęs su tam tikromis mutacijomis, sukeliančiomis kai kurias kraujo ligas. ● Pacientai, kuriems per pastaruosius 3 mėnesius buvo taikyta chemoterapija. ● Itin dažnos pasikartojančios bakterinės infekcijos ar yra neišgydyta <i>N. meningitidis</i> infekcija. ● Planuojamas ar nustatytas nėštumas. ● Žinoma alergija erkėms ar sunki reakcija į bičių ar vapsvų nuodus. ● Pacientai, kurie nesutinka laikytis <i>N. meningitidis</i> profilaktikos. ● Pacientai, sergantys pažengusia inkstų ar kepenų liga, hepatito B ar hepatito C virusu, buvusia aktyvia autoimunine liga (išskyrus izoliuotas odos ligas). ● Pacientai, kurie dalyvauja kituose klinikiniuose tyrimuose. ● Bet kokia psichologinė, šeiminė, socialinė ar geografinė situacija, dėl kurios, pacientas negalėtų laikytis tyrimo protokolo ir būti stebimas ilgą laiką.
Tyrimo vaistas	rVA576

Santrumpos

PNH – paroksizminė naktinė hemoglobinurija.

rVA576 – tiriamasis vaistinis preparatas.

Eritrocitai – raudonieji kraujo kūneliai, kurių viduje yra hemoglobinas, reikalingas deguonies pernešimui.

Anemija – hemoglobino trūkumas.

Bendra informacija

Prieš naują vaistą registruojant ir leidžiant vartoti žmonėms, būtina nustatyti jo saugumą bei veiksmingumą. Tai padaroma atliekant mokslinius (ar klinikius) tyrimus, tokius kaip šis. Klinikiniai tyrimai atliekami siekiant surasti naujus tam tikrų ligų gydymo būdus, kai tam dar neturima pakankamai informacijos. Todėl pagrindinis klinikinio tyrimo tikslas yra surinkti žinių apie naujus tam tikrų ligų gydymo būdus, kurie gali skirtis nuo įprastos klinikinės praktikos.

PNH yra sunki įgyta kraujo liga, atsirandanti, kai žmogaus organizmo ląstelės tampa neapsaugotos nuo organizmo imuninės sistemos dalies, vadinamos komplemento sistema, poveikio. Mūsų kraujyje cirkuliuoja daug komplemento veiksnių, kurių paskirtis yra pasireiškus infekcijai padėti neutralizuoti (pašalinti) bakterijas ar virusus. Normaliomis aplinkybėmis mūsų organizmo ląstelės yra apsaugotos nuo komplemento. Sergant PNH dėl aktyvinto komplemento poveikio žmogaus ląsteles pažeidžia organizme esantis komplementas, todėl pasireiškia sunkios ligos simptomų. rVA576 paskirtis yra blokuoti komplemento poveikį ir apsaugoti kraujo ląsteles.

Šio tyrimo metu tyrimo gydytojas kartu su tyrimą užsakiusia bendrove „Akari Therapeutics Plc“ siekia išsiaiškinti ilgą laiką vartojamo rVA576 saugumą ir veiksmingumą PNH sergantiems pacientams. Tyrimas atliekamas užsakovo „Akari Therapeutics Plc“ vardu.

Šiam tyrimui pritarė Lietuvos Bioetikos komitetas (LBEK) ir Valstybinė vaistų kontrolės tarnyba (VVKT).

Tyrimo tikslas

Mokslinis-tiriamasis tyrimo tikslas – gauti naujų medicinos mokslo žinių, kurios ateityje padėtų kitų šia liga sergančių pacientų sveikatai. Kitaip tariant, pagrindinis šio tyrimo tikslas nėra tiesioginė nauda dalyvaujančio paciento sveikatai.

Šiame tyrime bus tiriamas tiriamasis vaistinis preparatas, vadinamas rVA576 (dar vadinamas tiriamuoju vaistu), skirtas gydyti nuo PNH. „Tiriamasis“ reiškia, kad rVA576 yra eksperimentinis preparatas, jis nėra užregistruotas nė vienoje valstybinėje institucijoje, atsakingoje už vaistų saugumo ir veiksmingumo vertinimą. Šio tyrimo rezultatai bus pateikti kaip vaistinio preparato registracijos proceso dalis.

Šis tyrimas atliekamas siekiant išsiaiškinti, ar rVA576 yra veiksmingas PNH sergantiems pacientams:

- Įrodyti rVA576 plus standartinis gydymas veiksmingumą palyginus su standartiniu gydymu gydant pacientus, kuriems yra nekontroliuojama hemolizė dėl paroksizminės naktinės hemoglobinurijos (PNH).
- Įvertinti rVA576 saugumą ir toleravimą gydant pacientus, sergančius PNH.

Tiriamas vaistas: rVA576

rVA576 yra preparatas, kuriamas gydyti nuo PNH ir kitų komplemento sukeltų ligų. rVA576 yra mažas baltymas, kuris slopina vieną iš komplemento faktorių, kuris yra atsakingas už organizmo ląstelių pažeidimą, tačiau neveikia kitų komplemento sistemos dalių. Jis gali padėti sumažinti PNH sergančio paciento kraujo ląstelių pažeidimą, atsirandantį dėl PNH ir palengvinti ligos simptomus.

rVA576 jau yra tirtas jį skiriant sveikiems savanoriams ir PNH sergantiems žmonėms. Šiame tyrime bus toliau tiriamas rVA576 saugumas ir veiksmingumas PNH sergantiems pacientams.

rVA576 skiriamas palaikomajam gydymui (vaistą būtina vartoti kiekvieną dieną, panašiai kaip kraujospūdį mažinančius vaistus). Jis neišgydo nuo PNH, tačiau gali padėti palengvinti ligos simptomus.

rVA576 yra eksperimentinis vaistas, kurio nėra registravusi jokia už vaistinių preparatų saugumo ir veiksmingumo nustatymą atsakinga valstybinė institucija.

Dalyvavimas tyrime

Atranka

Šio etapo metu tyrimo gydytojas atlieka tyrimus ir peržvelgia paciento ligos istorijoje esančią informaciją, siekdamas sužinoti, ar jis gali dalyvauti tyrime. Atrankos etapas trunka iki 21 dienos.

Gydymas

Bus vykdomos 3 tyrimo dalys:

1-a dalis – Stebėjimo laikotarpis: tinkami pacientai (kurie turi būti priklausomi nuo transfuzijų) pradeda stebėjimo laikotarpį, kurio trukmė iki 3 mėnesių. Jei bet kuriuo laiku stebėjimo laikotarpio metu jiems prireikia transfuzijos pagal iš anksto nustatytus kriterijus, jie per 1-3 dienas nuo atitinkančios kriterijus transfuzijos atsitiktiniu būdu įtraukiami į 2-ą dalį.

2-a dalis – Gydymo laikotarpis: Atsitiktiniu būdu pacientams santykiu 1:1 bus skiriama 6 mėnesius arba rVA576 plus standartinis gydymas – 1-a atšaka, arba standartinis gydymas – 2-a atšaka.

3-ia dalis – Palaikomasis laikotarpis: Tai 3-ų mėnesių laikotarpis, kurio metu pacientai, atrinkti į 1-ą tyrimo šaką (rVA576 plus standartinis gydymas), tęs gydymą rVA576 plus standartinis gydymas dar 3 mėnesius, o atrinktiems į 2-ą šaką (standartinis gydymas) pacientams bus skirtas gydymas rVA576 plus standartinis gydymas. Užbaigę 1-ą, 2-ą ir 3-ią dalis, pacientai, kuriems gydymas buvo naudingas, tyrėjo nuožiūra galės tęsti gydymą rVA576, pradėję dalyvauti ilgalaikiame saugumo tyrime AK581 (CONSERVE).

Stebėjimo etapas

Praėjus apytikriai 1 mėnesiui po paskutinės tiriamojo vaistinio preparato dozės pavartojimo, tyrime dalyvaujančiam pacientui reikia atvykti baigiamojo vizito į sveikatos priežiūros įstaigą. Šio vizito tikslas – įsitikinti preparato saugumu pacientui. Šį vizitą atliks pacientai, baigę 3-ią dalį, tačiau nedalyvaujantys ilgalaikiame saugumo tyrime, taip pat tie pacientai, kurie pasitraukė 2-oje tyrimo dalyje.

Galima nauda ir trūkumai

Galimas privalumas yra tai, kad tiriamasis vaistinis preparatas gali palengvinti PNH, bet nauda tyrime dalyvaujančiam pacientui nėra garantuojama. Dalyvavimo tyrime laikotarpiu pacientas gali daugiau sužinoti apie PNH. Šiame tyrime surinkta informacija gali tyrinėtojams padėti rasti naujų būdų būsimiems pacientams gydyti.

Kaip jau minėta anksčiau, tiriamasis vaistinis preparatas gali padėti raudonosioms kraujo ląstelėms išgyventi ilgiau nei įprastai ir palengvinti kitus PNH sukeltus simptomus, jei tokių pasireiškia.

Dalyvavimo tyrime trūkumai gali būti šie:

- Galimas rVA576 nepageidaujamas poveikis ar komplikacijos;
- Papildomi vizitai ir ištyrimai;
- Dalyvaujant tyrime reikia laikytis tyrimo protokolu nustatytų reikalavimų.

Sutikimas dalyvauti/nedalyvauti tyrime

Tik pacientas sprendžia, ar dalyvauti tyrime. Dalyvavimas yra **savanoriškas**. Kompensacijos už dalyvavimą tyrime nėra, tačiau pateikus tinkamus kvitus, bus kompensuojamos pagrįstos kelionės ir maitinimosi kelionės metu patirtos išlaidos.

Pacientas, kurį numatoma įtraukti į AK580 tyrimą, susipažįsta ir pasirašo **Informuoto asmens sutikimą**, kuriame išsamiai paaiškinta tyrimo tikslas, principai, etapai, galima dalyvavimo žala bei nauda, tiriamojo vaistinio preparato – rVA576 galimas šalutinis poveikis, informacija apie asmens duomenų tvarkymą, konfidencialumą, biologinių mėginių paėmimą ir jų saugojimą. Informuoto asmens sutikimo forma yra patvirtinta Lietuvos bioetikos komiteto (LBEK).

Sutikus dalyvauti tyrime, bet kada galima pakeisti savo nuomonę ir nutraukti dalyvavimą netgi tyrimo metu. Tuomet pacientas gali gauti standartinį ligos gydymą. Pacientas neturi paaiškinti atsisakymo dalyvauti priežasčių, tačiau privalo skubiai informuoti tyrėją apie savo sprendimą. Atšaukti sutikimą privaloma raštu.

Jei pacientas pageidauja, surinkti ėminiai po atsisakymo dalyvauti tyrime yra sunaikinami. Tyrimo metu jau atlikti tyrimo bei gydymo rezultatai nebus naikinami ir bus panaudoti, analizuojant visus tyrimo rezultatus.

Tyrimo metu asmens duomenys yra tvarkomi, vadovaujantis Lietuvos Respublikos teisės aktais.

**Jei pageidaujate daugiau informacijos apie dalyvavimą tyrime, prašome kreiptis
į tyrimų centrą**

Hematologijos, onkologijos ir transfuziologijos centras

VšĮ VUL Santaros klinikos

Santariškių g. 2, LT-08661, Vilnius

Tel. (8 688) 62160, el. paštas: kts-oh@santa.lt

Parengta pagal	
Protokolo numeris:	AK580
EudraCT numeris:	2017-003847-39
IASF sutikimo formos pavadinimas lietuvių kalba, data, versija:	Asmens informavimo ir informuoto asmens sutikimo forma lietuvių kalba Lietuvai versija 3.0 Išversta iš anglų kalbos į lietuvių kalbą Data: 2018-04-20